

This Page Is Inserted by IFW Operations  
and is not a part of the Official Record

## BEST AVAILABLE IMAGES

Defective images within this document are accurate representations of the original documents submitted by the applicant.

Defects in the images may include (but are not limited to):

- BLACK BORDERS
- TEXT CUT OFF AT TOP, BOTTOM OR SIDES
- FADED TEXT
- ILLEGIBLE TEXT
- SKEWED/SLANTED IMAGES
- COLORED PHOTOS
- BLACK OR VERY BLACK AND WHITE DARK PHOTOS
- GRAY SCALE DOCUMENTS

## IMAGES ARE BEST AVAILABLE COPY.

As rescanning documents *will not* correct images,  
please do not report the images to the  
Image Problem Mailbox.

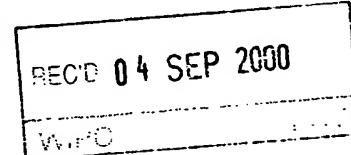
**THIS PAGE BLANK (USPTO)**

**BUNDESRREPUBLIK DEUTSCHLAND**

10/049301  
PCT/EP 00 907601  
EPO - Munich  
70  
22. Aug. 2000



22. Aug. 2000



**Prioritätsbescheinigung über die Einreichung  
einer Patentanmeldung**

EP 00/07601

E J W

**PRIORITY DOCUMENT**  
SUBMITTED OR TRANSMITTED IN  
COMPLIANCE WITH  
RULE 17.1(a) OR (b)

**Aktenzeichen:** 199 38 332.4

**Anmeldetag:** 6. August 1999

**Anmelder/Inhaber:** HepaVec AG für Gentherapie, Berlin/DE

**Bezeichnung:** Neuartiger adenoviraler Vektor für den  
Gentransfer, seine Anwendung und seine  
Herstellung

**IPC:** C 12 N 15/861

**Die angehefteten Stücke sind eine richtige und genaue Wiedergabe der ursprünglichen Unterlagen dieser Patentanmeldung.**

München, den 11. August 2000  
**Deutsches Patent- und Markenamt**  
Der Präsident  
Im Auftrag

Joest

Anmelder: HepaVec AG für Gentherapie  
Erfinder: Dr. Peter Löffler  
Dr. Christian Hofmann

## **Neuartiger adenoviraler Vektor für den Gentransfer, seine Anwendung und seine Herstellung**

Die Erfindung betrifft die Konstruktion eines nicht-humanen adenoviralen Vektors für den Gentransfer in Säugerzellen. Speziell eignet sich dieser Vektor für den Gentransfer in den Skelettmuskel bzw. in Zelltypen die im Skelettmuskel vorkommen. Anwendungsgebiete sind die Medizin, die Biotechnologie und die Gentechnik. Bei Einfügung funktioneller DNA-Sequenzen eignet sich der Vektor zur Behandlung von veränderten, auch krankhaften, Zerscheinungen in Zellen oder Zellkomplexen, zur Produktion biologischen Materials und zur Vaccinierung.

Die Erfindung wird gemäß den Ansprüchen 1-21 realisieren. Inhalt der Erfindung ist der Einsatz eines nicht-humanen adenoviralen Vektors, der DNA-Sequenzen in Säugerzellen transferieren kann und folglich eine transiente Expression des transduzierten Gens in Säugerzellen bzw. im Säugerorganismus bewirkt, zur Transduktion von Säugerzelltypen, die im Muskel vorkommen bzw. Skelettmuskulatur. Vorrangiges Einsatzgebiet sind die Einschleusung von Genen in Zellen, die Produktion rekombinanter Proteine in genannten Zelltypen sowie die Vaccinierung beim Menschen.

Der für die Erfindung genutzte Vektor besteht aus einem modifizierten, nicht-humanen Adenovirus, das

- Viruskomponenten von nicht-humanen Adenoviren,
- ggf. Viruskomponenten von anderen Viren,
- eine oder mehrere Fremd-DNA-Sequenzen,
- einen oder mehrere für die Fremdgenexpression geeignete regulatorische Elemente
- enthalt

**Patentansprüche:**

1. Neueriger Vektor für den Gentransfer, basierend auf einem nicht-humanen Adenovirus, der
  - Viruskomponenten von nicht-humanen Adenoviren,
  - ggl. Viruskomponenten von anderen Viren,
  - eine oder mehrere Fremd-DNA-Sequenzen,
  - einen oder mehrere für die Fremdgenexpression geeignete regulatorische Elementeenthalt
2. Vektor nach Anspruch 1, dadurch gekennzeichnet, daß das genutzte Virus ein nicht-humanes Adenovirus ist.
3. Vektor nach Anspruch 1 und 2, dadurch gekennzeichnet, daß das nicht-humanen Virus ein Adenovirus von Schaf ist.
4. Vektor nach Anspruch 1 und 2, dadurch gekennzeichnet, daß das nicht-humanen Virus ein Adenovirus von Rind ist.
5. Vektor nach Anspruch 3, dadurch gekennzeichnet, daß das Adenovirus vom Schaf das Isolat OAV287 (ovine Adenovirus, isolate 287) ist.
6. Vektor nach Anspruch 3, dadurch gekennzeichnet, daß das Adenovirus vom Schaf ein ovines Mastadenovirus ist.
7. Vektor nach Anspruch 1, dadurch gekennzeichnet, daß das Adenovirus vom Rind ein bovinus Adenovirus ist.
8. Vektor nach Anspruch 4, dadurch gekennzeichnet, daß das Adenovirus vom Rind ein bovinus Mastadenovirus ist.

9. Vektor nach Anspruch 1-8, dadurch gekennzeichnet, daß er eine Kassette zur Expression eines oder mehrerer Fremd-DNA-Sequenzen enthält.
10. Vektor nach Anspruch 1-9, dadurch gekennzeichnet, daß die exprimierten Fremd-DNA-Sequenzen nach Anspruch 9 für den Einsatz auf veränderte, auch krankhafte, Erscheinungen in Zellen oder Zellkombinationen einsetzbar ist.
11. Vektor nach Anspruch 1-9, dadurch gekennzeichnet, daß die exprimierten Fremd-DNA-Sequenzen für die Produktion rekombinanter Proteine einsetzbar sind.
12. Vektor nach Anspruch 1-9, dadurch gekennzeichnet, daß die exprimierten Fremd-DNA-Sequenzen für eine Vaccinierung einsetzbar sind.
13. Vektor nach Anspruch 12, dadurch gekennzeichnet, daß die exprimierten Fremd-DNA-Sequenzen für eine Vaccinierung gegen Viren, Bakterien sowie eukaryontische Ein- und Mehrzeller einsetzbar sind.
14. Vektor nach Anspruch 12, dadurch gekennzeichnet, daß die exprimierten Fremd-DNA-Sequenzen für eine Vaccinierung gegen maligne und nicht-maligne Zellen bzw. Zellpopulationen einsetzbar sind.
15. Verwendung des Vektors nach Anspruch 1-14 auf Säugetierzellen.
16. Verwendung des Vektors nach Anspruch 1-14 auf Zellen des Skelettmuskels.
17. Verwendung nach Anspruch 16 dadurch gekennzeichnet, daß die Zellen des Muskels Myozyten/Myotubes sind.
18. Verwendung nach Anspruch 16, dadurch gekennzeichnet, daß die Zellen des Muskels Fibroblasten sind.
19. Verwendung nach Anspruch 16, dadurch gekennzeichnet, daß die Zellen des Muskels dendritische Zellen sind.

20) Verfahren zur Herstellung des Vektors nach Anspruch 1-14, dadurch gekennzeichnet, daß der Vektor a) durch rekombinante DNA-Technologie hergestellt wird und b) in entsprechend permissiven Zellen produziert wird.

21) Verfahren zur Anwendung des Vektors nach Anspruch 1 bis 20, dadurch gekennzeichnet, daß der beanspruchte Vektor konfektioniert ist und ein oder mehrere Gene mit oder ohne regulatorische Sequenzen in Zielzellen nach Anspruch 15-19 transferiert.

**THIS PAGE BLANK (USPTO)**